



DI EP Lazio

Department of Epidemiology
Lazio Regional Health
Service - Italy (ex ASL Roma E)



SISTEMA SANITARIO REGIONALE

ASL
ROMA 1



REGIONE
LAZIO



Comparative **E**ffectiveness and **S**afety
of Drugs used in **R**are Neuromuscular
and Neurodegenerative Diseases

L'uso dei farmaci indicati nella Miastenia Gravis

Marco Finocchietti

CONVEGNO FINALE CAESAR

Roma, Complesso Monumentale Santo Spirito in Sassia, Sala Santo Spirito

7 giugno 2023, 9:00-17:00

Razionale dello studio

- **Non ci sono terapie farmacologiche specifiche per la MG: trattamento farmacologico mira al controllo dei sintomi e i farmaci usati in prima linea sono gli anticolinesterasici (in Italia la piridostigmina)**
- **Sono indicati per la MG anche altri farmaci (immunomodulatori, in particolare i corticosteroidi e l'azatioprina)**
- **Non sono disponibili dati relativi ai pattern prescrittivi nella popolazione Italiana affetta da MG**
- **In ambito dello studio CAESAR è stato effettuato un approfondimento sui Pattern prescrittivi nella coorte di pazienti con MG nelle regioni Lazio, Toscana e Umbria**

**Pattern prescrittivo
dei farmaci indicati
per il trattamento
della MG**

Selezione della popolazione in studio

Soggetti con diagnosi di MG tra 2013-2019



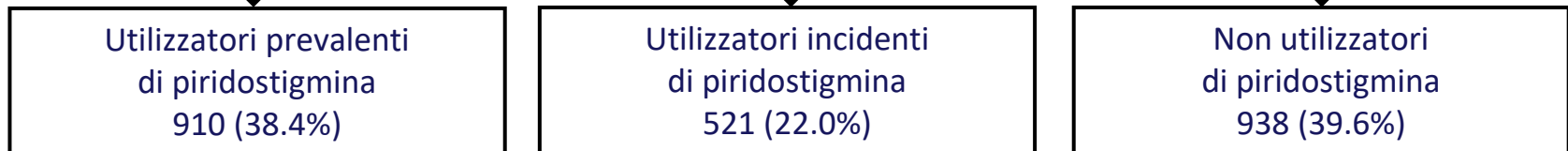
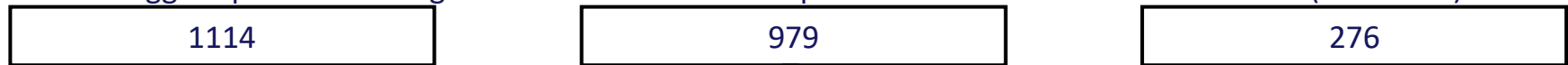
Soggetti maggiorenni alla data di arruolamento



Soggetti residenti nella regione in studio e presenti nel registro assistiti alla data di arruolamento



Soggetti presenti nel registro assistiti nei due anni precedenti alla data di arruolamento (look-back)



- Caratterizzazione della coorte: caratteristiche sociodemografiche**

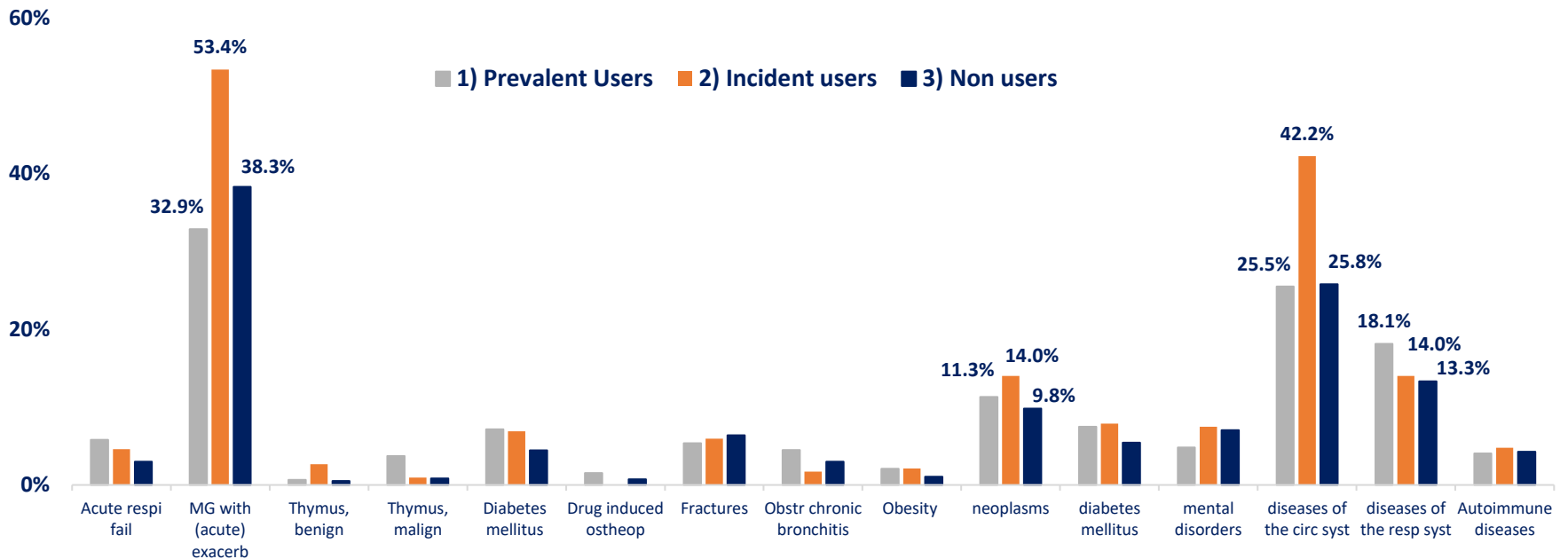


Genere femminile: 50.1% nella coorte degli utilizzatori prevalenti, 42.2% tra gli incidenti, 56.4% tra i non utilizzatori

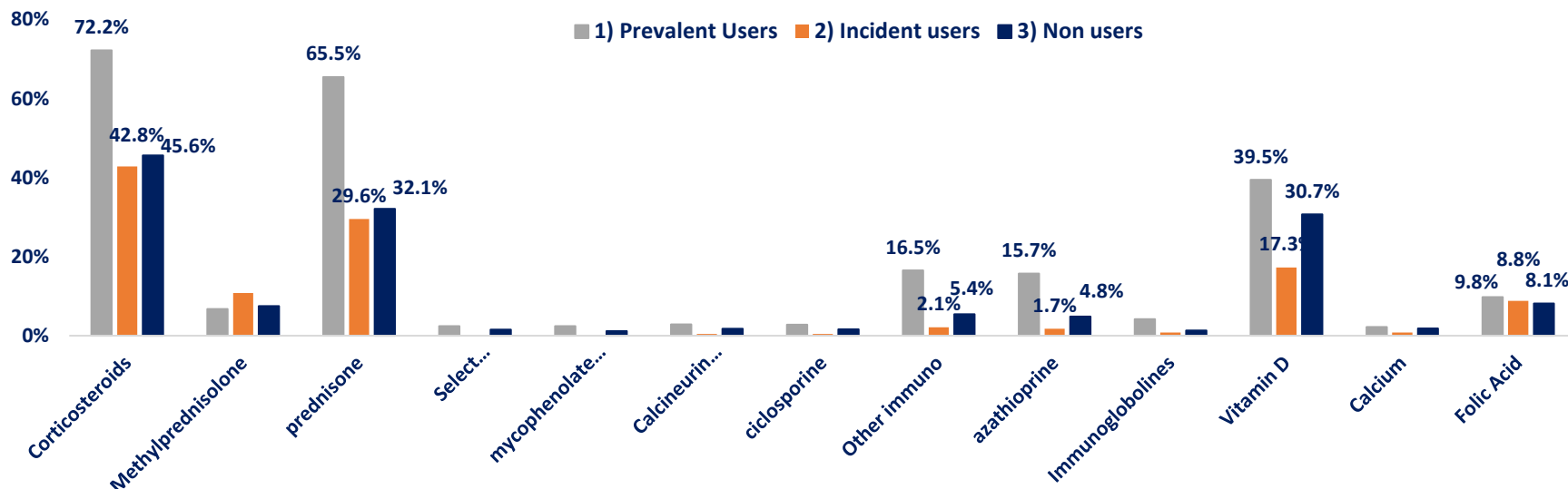


Classe di età 50+: 79.8% nella coorte degli utilizzatori prevalenti, 84.3% tra gli incidenti, 73.2% tra i non utilizzatori

- Comorbidità e complicazioni al baseline (focus >10%)**



- Terapia farmacologica al baseline (focus >15%)

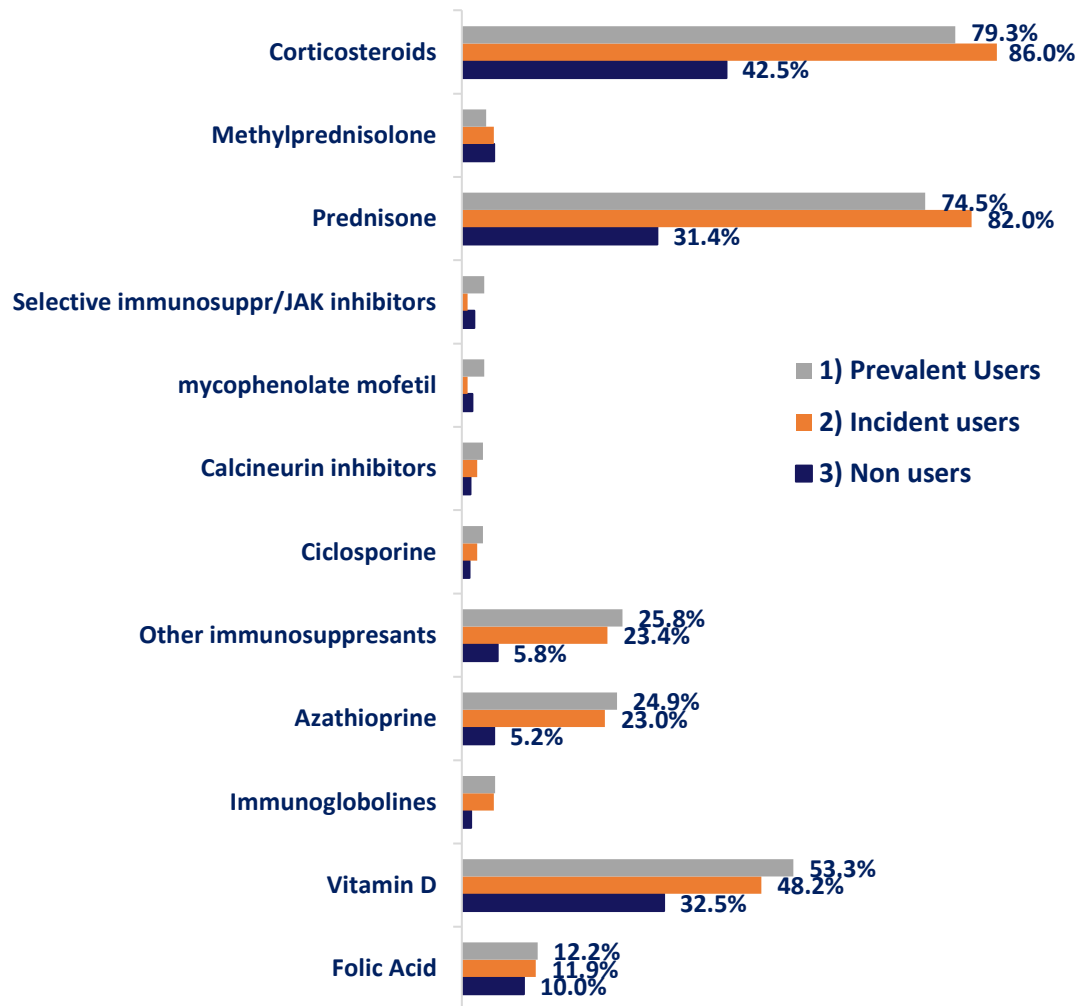


Non sono stati rappresentati i principi attivi <1% (fingolimod, tacrolimus, methotrexate, cyclophosphamide)

- Terapia non farmacologica al baseline

	1) Prevalent Users		2) Incident users		3) Non users	
	n	%	n	%	n	%
Non-pharmacological therapies						
Thymectomy	28	3.1%	3	0.6%	6	0.6%
Non-invasive mechanical ventilation	8	0.9%	4	0.8%	0	0.0%
Invasive mechanical ventilation	26	2.9%	16	3.1%	15	1.6%
Mechanical ventilation	30	3.3%	19	3.6%	15	1.6%
Plasmapheresis	47	5.2%	14	2.7%	14	1.5%

- Terapia indicata nella MG: primo anno di follow up

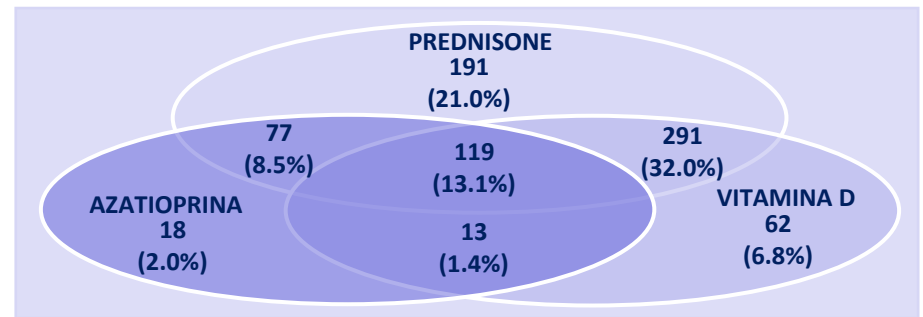


- 79,3% degli utilizzatori prevalenti di piridostigmina, l'86,0% degli utilizzatori incidenti e il 42,5% dei non utilizzatori ha avuto la dispensazione di corticosteroidi, in particolare prednisone (rispettivamente 74,5%, 82,0% e 31. 4% rispettivamente)
- Immunosoppressori (25,8%, 23,4% e 5,8% rispettivamente), in particolare azatioprina (24,9%, 23,0% e 5,2% rispettivamente)
- Vitamina D (53,3%, 48,2% e 32,5% rispettivamente)
- Acido folico (12,2%, 11,9% e 10,0% rispettivamente)

Combinazioni terapeutiche nel primo anno di follow-up

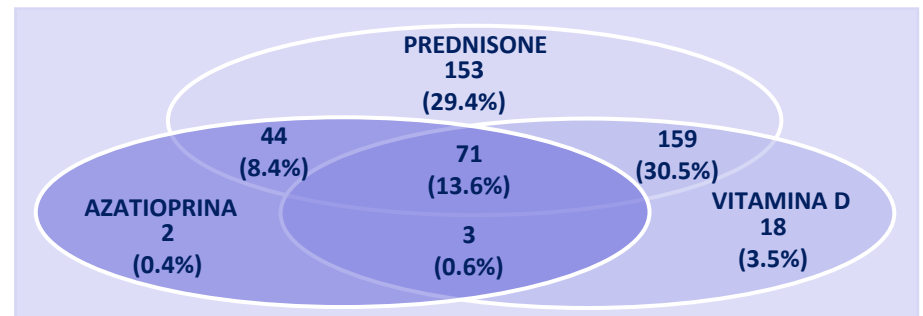
Utilizzatori prevalenti di piridostigmina (n=910)

Piridostigmina in monoterapia (n=139; 15.3%)



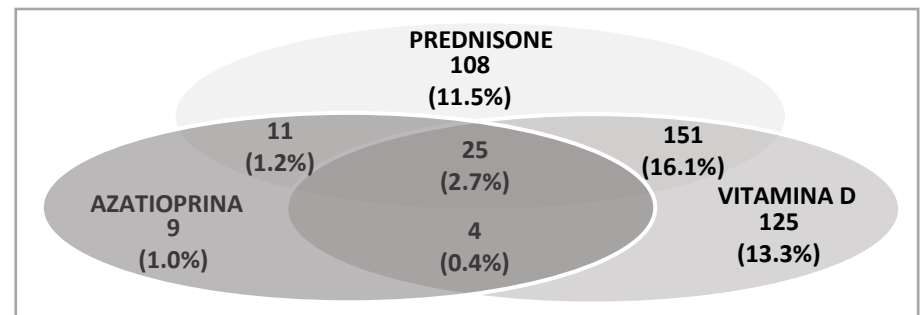
Utilizzatori incidenti di piridostigmina (n=521)

Piridostigmina in monoterapia (n=71; 13.6%)



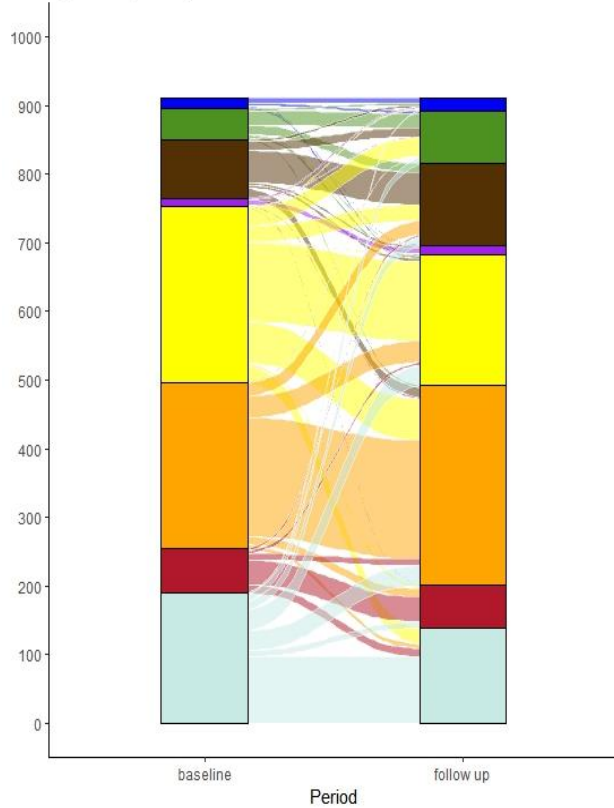
Non utilizzatori di piridostigmina (n=938)

Nessuna terapia (n=505; 53.8%)

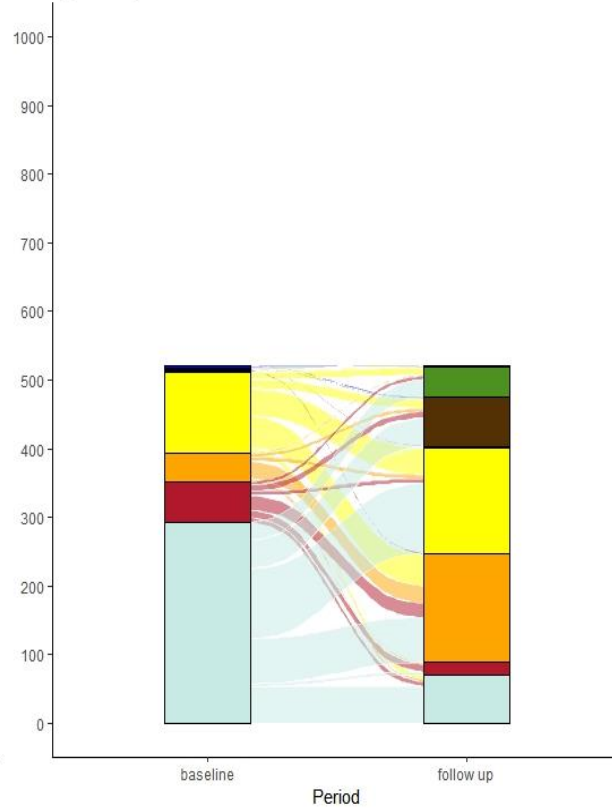


Cambiamenti terapeutici durante il primo anno di follow-up

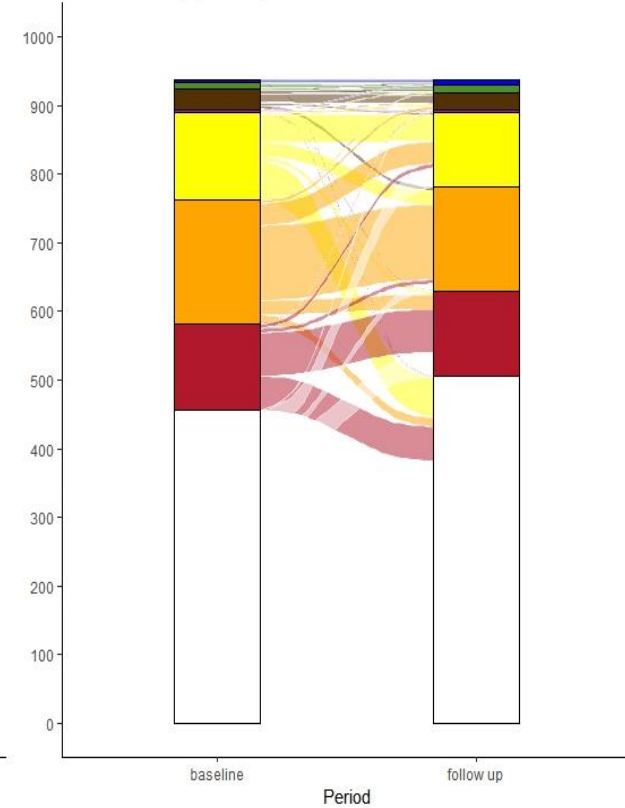
Pyridostigmine prevalent users



Pyridostigmine incident users



Non users of pyridostigmine



- Therapy
- 1) Azathioprine
 - 2) Azathioprine, Prednisone
 - 3) Azathioprine, Prednisone, Vitamin D
 - 4) Azathioprine, Vitamin D
 - 5) Prednisone
 - 6) Prednisone, Vitamin D
 - 7) Vitamin D
 - 8) None of these therapies
 - 9) No therapies

- **No differenze evidenti tra regioni in termini di profilo sociodemografico e clinico delle coorti**
- **Tra i pazienti affetti da MG, oltre la metà riceve un trattamento di piridostigmina, spesso in combinazione con prednisone o vitamina D, mentre l'azatioprina viene prescritta raramente**
- **Nel primo anno dopo la identificazione della MG si osserva un incremento delle terapie farmacologiche indicate solo tra gli utilizzatori della piridostigmina**
- **Possibile sviluppo futuro: MG patologia con prognosi migliore rispetto alla SLA. Sono ipotizzabili follow up più lunghi per valutazione pattern prescrittivi**



DIEP Lazio

Department of Epidemiology
Lazio Regional Health
Service - Italy (ex ASL Roma E)



ASL
ROMA 1

SISTEMA SANITARIO REGIONALE



REGIONE
LAZIO

Nicola Vanacore
Francesco Sciancalepore
Antonio Ancidoni
Ilaria Bacigalupo



DIEP Lazio
Department of Epidemiology
Lazio Regional Health
Service, Italy

Ursula Kirchmayer
Silvia Cascini
Marco Finocchietti
Anna Maria Bargagli
Valeria Belleudi
Antonio Addis
Marina Davoli

Marco Tuccori



UNIVERSITÀ DI PISA



Azienda Ospedaliera di Perugia

Teresa Cantisani
Maria Grazia Celani
Paola Brunori

Alfredo Vannacci
Niccolò Lombardi
Giada Crescioli
Roberto Bonaiuti



UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI
FIRENZE



Comparative Effectiveness and Safety
of Drugs used in **R**are Neuromuscular
and Neurodegenerative Diseases



Livia Convertino

Rosa Gini
Olga Paoletti
Giulia Hyeraci



ARS TOSCANA
agenzia regionale di sanità



Regione Umbria

Giampaolo Bucaneve
Rosalba Elisabetta
Rocchi
Mariangela Rossi